

La FDA américaine accorde la désignation « Breakthrough Therapy » à l'IPN60340 (ICT01) d'Ipsen dans la leucémie myéloïde aiguë de première ligne chez les patients inéligibles à une chimiothérapie intensive

- La désignation « Breakthrough Therapy » a été accordée pour la thérapie expérimentale IPN60340 en association avec le vénétoclax et l'azacitidine dans la leucémie myéloïde aiguë de première ligne chez les patients inéligibles à une chimiothérapie intensive.

PARIS, FRANCE, 13 JANVIER 2026 – Ipsen (Euronext: IPN; ADR: IPSEY) annonce aujourd'hui que la Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis a accordé la désignation « Breakthrough Therapy » (BTD) à IPN60340 en association avec le vénétoclax et l'azacitidine (Ven-Aza) dans la leucémie myéloïde aiguë de première ligne chez les patients inéligibles à une chimiothérapie intensive ou aux traitements ciblés pour ce cancer du sang agressif touchant les personnes âgées. IPN60340 est un anticorps monoclonal expérimental, premier de sa classe, ciblant BTN3A, une molécule clé de régulation immunitaire largement exprimée dans les cancers. La désignation « Breakthrough Therapy » vise à accélérer le développement et l'examen des médicaments destinés à des maladies graves ou potentiellement mortelles, sur la base de preuves d'une amélioration clinique substantielle. IPN60340 avait précédemment obtenu la désignation « Médicament orphelin » auprès de la FDA et de l'Agence européenne des médicaments en juillet 2025.

« Cette désignation Breakthrough Therapy reconnaît à la fois le besoin urgent de nouvelles options thérapeutiques pour les personnes atteintes de leucémie myéloïde aiguë et les données prometteuses observées jusqu'à présent dans le programme de développement d'IPN60340 », a déclaré Christelle Huguet, PhD, Vice-Présidente Exécutive et Directrice R&D chez Ipsen. « Nous nous réjouissons de collaborer étroitement avec la FDA alors que nous avançons vers la prochaine étape du développement clinique et continuons à proposer des médicaments avec un potentiel de transformer la vie des personnes vivant avec un cancer ».

Cette désignation Breakthrough Therapy repose sur les données issues de l'essai de phase I/II EVICTION. Les données cliniques actualisées, présentées oralement lors du congrès de l'American Society of Hematology (n=57)¹, ont montré que le traitement par IPN60340 en association avec Ven-Aza a permis d'obtenir des taux de réponse très encourageants. Dans cet essai à bras unique, le traitement par IPN60340 et Ven-Aza (n=38) a entraîné un quasi-doublement du taux de réponse complet par rapport aux données historiques de la prise en charge standard, et ce, dans tous les sous-types moléculaires chez des patients nouvellement diagnostiqués, y compris ceux généralement moins sensibles au standard de soins (Ven-Aza)^{1,2}. IPN60340 en association avec Ven-Aza a également montré une bonne tolérance, confirmant le potentiel d'IPN60340 en tant qu'immunothérapie innovante pour améliorer les résultats chez les patients atteints de leucémie myéloïde aiguë. Sur la base de ces données préliminaires, nous prévoyons de discuter la conception des plans de développement de phase II/III avec la FDA au premier semestre 2026.

À propos de l'essai EVICTION

EVICTION est un essai clinique de phase I/II, « first-in-human », comprenant une phase d'escalade de dose (Partie 1) et une phase d'expansion de cohortes (Partie 2), évaluant IPN60340 (ICT01) chez des patients atteints de cancers solides ou hématologiques avancés, en rechute ou réfractaires, ayant épuisé les options thérapeutiques standards, ainsi que chez des patients nouvellement diagnostiqués avec une leucémie myéloïde aiguë. Plus d'informations sur l'essai EVICTION sont disponibles sur clinicaltrials.gov (NCT04243499).

À propos d'IPN60340 (ICT01)

IPN60340 est un anticorps monoclonal humanisé dirigé contre BTN3A (également connu sous le nom CD277) qui favorise la reconnaissance et l'élimination des cellules tumorales par les lymphocytes T $\gamma 9\delta 2$, responsables de la surveillance immunitaire des tumeurs et des infections. Les trois isoformes de BTN3A ciblées par IPN60340 sont surexprimées dans de nombreux cancers solides (par exemple : mélanome, carcinome urothélial, colorectal, ovarien, pancréatique et pulmonaire) et hématologiques (par exemple : leucémies et lymphomes), et sont également présentes à la surface des cellules immunitaires innées (par exemple : lymphocytes $\gamma \delta$ T et cellules NK) et adaptatives (lymphocytes T et B). La liaison à BTN3A est essentielle pour activer la réponse immunitaire antitumorale des lymphocytes T $\gamma 9\delta 2$. En modifiant la conformation de BTN3A, IPN60340 favorise cette liaison, activant ainsi sélectivement les lymphocytes T $\gamma 9\delta 2$ circulants. Cela entraîne leur migration hors de la circulation vers le tissu tumoral et déclenche une cascade immunologique via la sécrétion de cytokines pro-inflammatoires, notamment IFN γ et TNF α , renforçant la réponse immunitaire antitumorale. L'activité antitumorale et l'efficacité d'IPN60340 ont été démontrées chez des patients atteints de plusieurs types de cancer. IPN60340 est une thérapie expérimentale en cours d'évaluation chez des personnes âgées de 75 ans ou plus atteintes de leucémie myéloïde aiguë et ne pouvant recevoir une chimiothérapie intensive en raison de comorbidités.

A propos d'Ipsen

Nous sommes un groupe biopharmaceutique mondial focalisé sur la mise au point de médicaments innovants pour les patients dans trois domaines thérapeutiques : l'Oncologie, les Maladies Rares et les Neurosciences. Notre portefeuille de produits en R&D s'appuie sur l'innovation interne et externe et sur près de 100 ans d'expérience de développement au sein de hubs mondiaux aux États-Unis, en France et au Royaume-Uni. Nos équipes, présentes dans plus de 40 pays, et nos partenariats à travers le monde nous permettent de proposer nos médicaments aux patients dans plus de 100 pays.

Ipsen est coté à Paris (Euronext : IPN) et aux États-Unis à travers un programme d'American Depositary Receipt (ADR : IPSEY) sponsorisé de niveau I. Pour plus d'informations, consultez www.ipsen.com

Contacts Ipsen

Investors

Henry Wheeler	henry.wheeler@ipsen.com	+33 7 66 47 11 49
Khalid Deojee	khalid.deojee@ipsen.com	+33 6 66 01 95 26

Media

Sally Bain	sally.bain@ipsen.com	+1 857 320 0517
Anne Liontas	anne.liontas.ext@ipsen.com	+33 7 67 34 72 96

Déclarations et/ou avertissement Ipsen

Les déclarations prospectives et les objectifs contenus dans ce communiqué sont basés sur la stratégie et les hypothèses actuelles de la Direction d'Ipsen. Ces déclarations et objectifs dépendent de risques et d'incertitudes connus ou non qui peuvent entraîner une divergence significative entre les résultats, performances ou événements effectifs et ceux envisagés dans ce communiqué. De tels risques et imprévus pourraient affecter la capacité d'Ipsen à atteindre ses objectifs financiers, lesquels reposent sur des hypothèses raisonnables quant aux conditions macroéconomiques à venir formulées d'après les informations disponibles à ce jour. L'utilisation des termes « croit », « envisage » et « prévoit » ou d'expressions similaires a pour but d'identifier des énoncés prospectifs, notamment les attentes d'Ipsen quant à des événements futurs tels que les soumissions et décisions réglementaires. De plus, les objectifs mentionnés dans ce document sont établis sans tenir compte d'éventuelles opérations futures de croissance externe qui pourraient venir modifier tous ces paramètres. Ces prévisions sont notamment fondées sur des données et hypothèses considérées comme raisonnables par Ipsen, et dépendent de circonstances ou de faits susceptibles de se produire à l'avenir et dont certains échappent au contrôle du Groupe, et non pas exclusivement de données historiques. Les résultats réels pourraient s'avérer substantiellement différents de ces objectifs compte tenu de la matérialisation de certains risques ou incertitudes, et notamment qu'un nouveau médicament peut paraître prometteur au cours d'une phase préparatoire de développement ou après des essais cliniques, mais n'être jamais commercialisé ou ne pas atteindre ses objectifs commerciaux, notamment pour des raisons réglementaires ou concurrentielles. Ipsen doit ou peut avoir à faire face à la concurrence de produits génériques, qui pourrait se traduire par des pertes de parts de marché. En outre, le processus de recherche et développement comprend plusieurs étapes et, lors de chaque étape, le risque est important qu'Ipsen ne parvienne pas à atteindre ses objectifs et qu'il soit conduit à renoncer à poursuivre ses efforts sur un médicament dans lequel il a investi des sommes significatives. Aussi, Ipsen ne peut être certain que des résultats favorables obtenus lors des essais précliniques seront confirmés ultérieurement lors des essais cliniques ou que les résultats des essais cliniques seront suffisants pour démontrer le caractère sûr et efficace du médicament concerné. Il ne saurait être garanti qu'un médicament recevra les approbations réglementaires nécessaires ou qu'il atteindra ses objectifs commerciaux. Les résultats réels pourraient être sensiblement différents de ceux annoncés dans les déclarations prévisionnelles si les hypothèses sous-jacentes s'avèrent inexactes ou si certains risques ou incertitudes se matérialisent. Les autres risques et incertitudes comprennent, sans toutefois s'y limiter, la situation générale du secteur et la concurrence ; les facteurs économiques généraux, y compris les fluctuations des taux d'intérêt et des taux de change ; l'incidence de la réglementation de l'industrie pharmaceutique et de la législation en matière de santé ; les tendances mondiales vers une plus grande maîtrise des coûts de santé ; les avancées technologiques, les nouveaux médicaments et les brevets obtenus par la concurrence ; les problèmes inhérents au développement de nouveaux médicaments, notamment l'obtention d'une homologation ; la capacité d'Ipsen à prévoir avec précision les futures conditions du marché ; les difficultés ou délais de production ; l'instabilité financière de l'économie internationale et le risque souverain ; la dépendance à l'égard de l'efficacité des brevets d'Ipsen et d'autres protections concernant les médicaments novateurs ; et le risque de litiges, notamment des litiges en matière de brevets ou des recours réglementaires. Ipsen dépend également de tierces parties pour le développement et la commercialisation de ses médicaments, ce qui peut donner lieu à des redevances substantielles ; en outre ces partenaires pourraient agir de manière à nuire aux activités d'Ipsen ainsi qu'à ses résultats financiers. Ipsen ne peut être certain que ses partenaires tiendront leurs engagements. À ce titre, le Groupe pourrait ne pas être en mesure de bénéficier de ces accords. Une défaillance d'un de ses partenaires pourrait engendrer une baisse imprévue de revenus pour Ipsen. De telles situations pourraient avoir un impact négatif sur l'activité d'Ipsen, sa situation financière ou ses résultats. Sous réserve des dispositions légales en vigueur, Ipsen ne prend aucun engagement de mettre à jour ou de réviser les énoncés prospectifs ou objectifs visés dans le présent communiqué afin de refléter des changements qui viendraient affecter les événements, situations, hypothèses ou circonstances sur lesquels ces énoncés se fondent. L'activité d'Ipsen est soumise à des facteurs de risques qui sont décrits dans ses documents d'information enregistrés auprès de l'Autorité des Marchés Financiers. Les risques et incertitudes présentés ne sont pas les seuls auxquels le Groupe doit faire face et le lecteur est invité à prendre connaissance de la dernière édition du Document d'enregistrement universel d'Ipsen, disponible sur ipsen.com.

References

1. Garciaz et al. γ 9 δ 2 T-cell (γ 9 δ 2TC) activation with ICT01 and azacitidine-venetoclax (Aza-Ven) induces high rates of remission and overall survival in patients with newly diagnosed (ND) acute myeloid leukemia (AML): Results from the phase 1/2 study eviction. <https://ashpublications.org/blood/article/146/Supplement%201/652/549979/9-2-T-cell-9-2TC-activation-with-ICT01-and>
2. Dumas et al. γ 9 δ 2 T-cell activation with ICT01 combined with azacitidine-venetoclax for older/unfit adults with newly diagnosed AML: preliminary efficacy and dose selection in Phase 1/2 study EVICTION. ASCO 2025. Available here: https://www.ImChecktherapeutics.com/fileadmin/Posters_Prez/ASCO2025-ICT01-AzaVen.pdf
3. Kone AS, Ait Ssi S, Sahraoui S, Badou A. BTN3A: A Promising Immune Checkpoint for Cancer Prognosis and Treatment. *Int J Mol Sci.* 2022;23(21):13424. Published 2022 Nov 3. doi:10.3390/ijms232113424